

JULKAISTU NUMEROSSA 3-4/2017  
EX TEMPORE

# Katse tulevaisuuteen

*Päivi Ruokoniemi*



Terveystieteiden megatrendit vaikuttavat tulevaisuuden lääkehoitoihin ja niiden saatavuuteen. Lääkeviranomaisen tehtävänä on varmistaa lääkealan tasapaino myös muutosvoimien keskellä.

Vuoden 2016 Slush antoi esimakua siitä, mihin olemme menossa. Yksi massatapahtuman teemoista oli terveysteknologia.

Innostus oli aistittavissa: Nyt ollaan taklaamassa sairauksia aivan uusilla aseilla. Mikään ei ole meille enää mahdotonta! Valtavat näytöt näyttivät pikakelauksella, kuinka koneet valmistivat hetkessä kantasoluista uusia elimiä. Lavoille marssivat maailman terveysteknologijaohajat uusimpien keksintöjensä kanssa. Esillä olivat ennaltaehkäisy, kuluttajalähtöisyys, mobiiliterveys, lääketieteellisten esineiden internet, tekoäly, telelääketiede, älypillerit ja big data.

Mutta minua askarrutti. Kuinka saamme tämän kaiken teknologian käyttöön hallitusti ja tavalla, joka on tasapainossa myös terveysalan viranomaisten näkemysten ja tavoitteiden kanssa?

### **Horizon scanning**

Lääkehoitojen tulevaisuuteen tähyily, horizon scanning, ei ole yksinkertaista. Pitää tunnistaa ne kovat ja lineaariset trendit, megatrendit, jotka etenevät vääjäämättömästi kuin juna. Tällaisia trendejä ovat väestömme ikääntyminen ja siihen liittyvä lääkkeiden käytön lisääntyminen – ennaltaehkäisevästä terveysteknologiasta huolimatta ikä ei koskaan tule yksin.

Megatrendi on myös terveystiedon maassiivinen paisuminen terveyssovellusten ja potilastietojärjestelmien koodien takana samalla, kun sitä hyödyntävän teknologian hinta laskee kuin lehmän häntä.

Entä itse teknologia? Mooren lain perusteella tänään tuntemamme terveysteknologisten ratkaisujen määrä on huomenna jo eksponentiaalinen. Jo nyt printterit printtaavat lääketehtaissa kolmiulotteisia lääketabletteja. Mikä kaikki onkaan mahdollista huomenna? – Sanovat, että ainakin yksilöllistettyjen lääketablettien printtaus apteekeissa suoraan potilaan käyttöön, niillä lääkeaineiden vahvuuksilla ja pitoisuuksilla ja keskinäisillä suhteilla, jotka ovat juuri kyseiselle potilaalle tarpeen.

Lääkkeiden saatavuutta ”häiritsevän innovaation” (disruptio) kynnyksellä lääkeviranomainen pohtii, kuinka valvonta ulotetaan varmistamaan potilaan lääkehoidon teho, turvallisuus ja laatu sellaisina, joihin olemme saaneet nykylainsäädännön puitteissa tottua? Kuinka valvomme lääkkeiden valmistusta, jakelua ja toimittamista tulevaisuudessa?

Viranomaisvalvonnan tavoitteena ei ole toimia kehityksen jarruna. Yleisen innostuksen ja muutoksen keskellä vauhti voi kuitenkin sokaista, jos emme ole varovaisia. Tuttu on tapaus Paolo Machhiarini – kuuluisan kirurgin kokeelliset hoidot olisivat voineet päättyä kaikkien näkökulmasta vähemmän ikävästi, jos päät olisi pidetty kylminä ja tutustuttu lääkealan sääntelyyn ja ohjeistuksiin tarkemmin.

Selvää on kuitenkin, että uusi uljas maailma edellyttää myös uudenlaista ja ketterää, organisaatioiden rajat ylittävää nopeaa viranomaistoimintaa, jotta potilaiden turvallisuus saadaan varmistettua jatkossakin. Uuden teknologian myötä tulemmme löytämään itsemme entistä useammin tilanteista, joihin ei löydy sovellettavaksi voimassaolevaa lainsäädäntöä.

## **Hinnoittelun kipuraja on tullut vastaan**

Kehittyneiden terapioiden kehittäminen on paitsi innostavaa ja mullistavaa myös tarkasti säänneltyä ja haastavaa. Silti mahdollisuutena on saada tehokasta lääkehoitoa niille, joille sellaista ei ole ollut tarjolla tähän mennessä. Suurin osa viime vuosien kehittyneiden terapioiden valmisteista on saanut myyntiluvan juuri harvinaissairausten hoitoon.

Harvinaissairauksien lääkehoitojen kehittyminen on kuitenkin niin sanottu pehmeä trendi, johon yhteiskuntien maksuhalukkuudella ja markkinatilanteilla on vaikutusta. Lääkeyrityksen näkökulmasta harvinaissairauksien lääkehoitojen kehittäminen on vaativaa, sillä sama tulovirta pitää saada pienemmistä puroista. Tämä on johtanut siihen, että harvinaissairauksien lääkehoitojen hinnoissa on monella maksajalla tullut kipuraja vastaan, ja terveydenhuollon kestävyysvaive vaikuttaa vääjäämättömältä. Suomi ei ole tässä yksin. Kysynnän ja tarjonnan lait eivät kohtaa enää globaalistikaan. EU:ssa myyntiluvan saaneista kahdeksasta kehittyneestä terapiasta puolet on jo vedetty pois lääkemarkkinoilta kaupallisista syistä.

Tähän asti myyntilupaprosessit ja lääkevalmisteiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnit ovat kulkeneet omia polkujaan. Lääkkeiden hinnoitteluun liittyviin ongelmiin on kuitenkin havahduttu myös keskitetysti. Lääkeyritysten on jo nyt mahdollista saada tieteellistä neuvontaa Euroopan lääkeviraston (EMA) alaisuudessa. Tieteellisen neuvonnan yhteydessä keskustellaan myös valmisteen kohtuullisesta hinnoittelusta.

Trendien valossa vaikuttaa ilmeiseltä, että harvinaisten sairauksien hoitoon tarkoitettujen kehittyneiden terapioiden esiinmarssi jatkuu entisellään vain, jos niiden hinnat tulevat kohtuullisemmiksi maksajan silmissä.

## **Tulevaisuudessa tiedämme vähemmän turvallisuudesta**

Lääkeviranomaisen tavoitteena on saattaa laadukkaat, tehokkaat ja riittävän turvalliset lääkevalmisteet niitä tarvitseville potilaille mahdollisimman nopeasti. Ratkaisuna viranomaisen myyntilupaprosessien kritisoituihin viiveisiin on esitetty, että osa perinteisistä kliinisistä lääketutkimuksista saatavasta kontrolloidusta tiedosta korvattaisiin myyntiluvan jälkeisellä, rekistereistä saatavalla tiedolla. Arkielämän olosuhteista saatava rekisteritieto on kontrolloimatonta ja siksi niistä saatavaan tietoon liittyy riski virhetulkinnoille ja tiedon vääristymiselle.

Täsmälääkkeet ovat jo hyvin tuttuja lääkekehityksessä ja kliinisessä käytössä muun muassa onkologiassa. Täsmälääkehoidossa pyritään diagnostisten testien, eli niin kutsutun kumppanuusdiagnostiikan avulla tunnistamaan ne potilaat, jotka todennäköisimmin hyötyvät kehitteillä olevasta terapiasta. Ilmiö on erittäin suotuista, koska kumppanuusdiagnostiikan avulla

lääkkeen mahdollisille haittavaikutuksille ei tarvitse altistaa niitä, jotka eivät tule hyötymään lääkevalmisteesta. Samalla voidaan myös pienentää kliinisten lääketutkimusten otoskokoa ilman, että tutkimuksen tilastollinen voima kärsii.

Tähän liittyy kuitenkin haasteita, jotka voidaan mallintaa tilastotieteen avulla. The rule of three kertoo meille, kuinka suuri kliinisen, kontrolloidun lääketutkimuksen otoskoon tulee olla lääkkeen harvinaisen haittavaikutuksen havaitsemiseksi silloin, kun haittavaikutuksen taustailmaantuvuus on

*Taulukko 1. Haittavaikutuksen havaitsemiseen tarvittava potilasmäärä, jos haitan taustailmaantuvuus on vähäinen.*

pieni (taulukko 1).

Haitan ilmaantuvuus	1 tapaus	2 tapausta	3 tapausta
1:100	300	480	650
1:1000	3 000	4 800	6 500
1:10 000	30 000	48 000	65 000

(hyvin yleinen:  $\geq 1/10$ ; yleinen:  $\geq 1/100 - < 1/10$ ; melko harvinainen:  $\geq 1/1\,000 - < 1/100$ ; harvinainen:  $\geq 1/10\,000 - < 1/1\,000$ ; hyvin harvinainen:  $< 1/10\,000$ ; tuntematon: koska saatavissa oleva tieto ei riitä arviointiin).

Mitä pienempiin kontrolloituihin lääketutkimuksiin menemme ja mitä vähemmän niitä tehdään ennen myyntilupaa, sitä vähemmän tulemme tietämään uusien lääkkeiden harvinaisista haittavaikutuksista lääkkeen myyntiluvan hetkellä.

Toisaalta, niinhän sitä sanotaan, että viisautta on jo tietää, että ei tiedä. Ja jos emme voi tietää, kuinka käy, olettaakamme, että käy hyvin. Mutta työtä se meiltä silti vaatii.

*Artikkeli perustuu kirjoittajan esitykseen Kelan Lääkehoidot muuttuvat – riittävätkö rahat? -seminaarissa.*



**Päivi Ruokoniemi**

LT, kliinisen farmakologian ja lääkehoidon erikoislääkäri  
Ylilääkäri, Fimea

## LISÄÄ AIHEESTA

// ]]>